

**PROYECTO DE INVESTIGACIÓN EN
TERAPIA DE LAS DISTROFIAS MUSCULARES
Fundación Isabel Gemio**

Investigador Principal: Dra. Isabel Illa

Hospital Santa Creu I Sant Pau – CIBERNED – La Fundació Institut De Recerca
Barcelona

El grupo de investigación neuromuscular del HOSPITAL SANTA CREU I SANT PAU, dirigido por la Dra. Illa está realizando un proyecto que investiga el tratamiento con 2 tipos de terapias con células madre: El primero es a partir *de trasplantes de médula ósea* y el segundo a partir de unas *“células madre” que se llaman mesoangioblastos o pericitos*.

TRASPLANTE DE MÉDULA ÓSEA (TMO)

Nuestro país es pionero en el mundo en trasplantes y este grupo tiene experiencia en ello.

El proyecto estudia si **las células madre de la médula ósea** son capaces de ir a músculo y regenerarlo o no. Los resultados que se han obtenido indican que sí que pueden regenerar pero en un porcentaje pequeño, que no es suficiente para notar una mejoría en la fuerza.

Se ha observado que cuando se realiza Trasplante de Médula Ósea en un ratón sin distrofina (Dys) se observa expresión de Dys en el bazo del animal pero que cuando se miró en músculo no se detectó expresión de Dys. Para contestar si este hecho es suficiente para hacer funcionar el músculo se realizaran Trasplante de Médula Ósea con ratones y se harán pruebas de motilidad, EMG en colaboración con la Universidad y estudios de expresión de Dys. Siempre se realizarán Trasplante de Médula Ósea de tipo heterólogo con vista a su transferencia a humanos.

TERAPIA A PARTIR DE CÉLULAS MADRE: mesoangioblastos o pericitos

Se eligieron estas células porque se pueden inyectar por vía arterial y porque ya se han obtenido resultados exitosos en diferentes modelos animales incluyendo ratones y animales grandes, como los perros, afectados de distrofia muscular de Duchenne.

El Dr. Jordi Díaz ha estado un año en el laboratorio del Dr. Cossu aprendiendo a obtener pericitos y a realizar los trasplantes. Desde que ha regresado al laboratorio ya ha obtenido estas células, que crecen con un rendimiento que es suficiente para poder trasplantar modelos animales de distrofia muscular. Se está estudiando qué factores atraen a los pericitos hasta el músculo distrófico.

En esta anualidad el Proyecto de Barcelona, está llevando a cabo una **primera fase de prueba en niños**, concretamente en 3.

Se está realizando un *trasplante doble de médula ósea y pericitos*, analizando los factores implicados para aumentar la migración de estos pericitos a célula muscular distrofica.

Por otra parte, se han introducido **vía intraarterial pericitos** de donantes emparentados en niños con distrofia de Duchenne. En este sentido si el resultado es exitoso, se podría llevar a cabo un ensayo clínico multicéntrico utilizando esta tecnología.

Tras un seguimiento de un año, que finalizará en la primavera de 2012, si funciona, se llevará a cabo un **Ensayo Clínico en EE.UU, Italia y España**. La duración del Ensayo dependerá de cómo se sientan los niños. Se introducen células de músculos provenientes de otras personas. Ahora, de momento serán células de los familiares.

En España contamos con una Agencia de Terapias Avanzadas que nos va a permitir agilizar los tratamientos en cuanto los consideren seguros y en el Hospital Sant Pau de Barcelona disponen de las Salas Blancas y demás elementos necesarios para los trasplantes de células.

La financiación de la FIG les ha permitido que inicien y continúen estos estudios.